

申请 “NTRK基因融合阳性的成人和12岁及以上儿童实体瘤” 和 “ROS1阳性的局部晚期或转移性NSCLC” **原适应症续约**

申请 “NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤” **新增适应症**纳入医保

恩曲替尼胶囊 (罗圣全®)

为**NTRK基因融合阳性1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者**
提供更具性价比的治疗选择，目前唯一*中国患儿疗效披露

新增适应症**人群小**，符合**简易续约**路径

上海罗氏制药有限公司

目录

① 基本信息

NTRK融合的儿童**患者数量少**，恩曲替尼申请**简易路径新增适应症**：
NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者

② 创新性

全球目前唯一*具有**明确颅内疗效**且可用于**儿童**的跨瘤种NTRK靶向药
获CDE**优先审评**，FDA优先审评、突破性疗法、孤儿药资格认定

③ 有效性

颅内疗效**明确持久**，目前唯一*披露**中国**NTRK融合阳性**儿童患者**疗效数据

④ 安全性

儿童患者**安全可控**，无黑框警告

⑤ 公平性

医保目录内儿童肿瘤药物有限，恩曲替尼**覆盖多个瘤种**，缓解儿童肿瘤治疗的迫切需求

恩曲替尼拟申请新增 “NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤” 适应症

申请续约

NTRK基因融合阳性的成人和12岁及以上儿童实体瘤患者
ROS1阳性的局部晚期或转移性非小细胞肺癌（NSCLC）成人患者

申请新增

NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者

基本信息

药品通用名称：恩曲替尼胶囊

注册规格：200mg，100mg

是否为OTC药品：否

是否为独家：是

中国大陆首次上市时间：2022年7月

用法用量¹：

NTRK融合基因阳性实体瘤患者：口服，每日一次

- 成人和BSA≥1.51m²的儿童患者：600 mg
- > 6月龄的儿童患者：按照体表面积给药（详见说明书¹）
- > 1月龄至≤6月龄的儿童患者：250 mg/m²

ROS1阳性非小细胞肺癌患者：600 mg，口服，每日一次

现行医保目录的限定支付范围：

- 12岁及以上，经充分验证的检测方法诊断为携带神经营养酪氨酸受体激酶（NTRK）融合基因且不包括已知获得性耐药突变的实体瘤：患有局部晚期、转移性疾病或手术切除可能导致严重并发症的患者，或无满意替代治疗或既往治疗失败的患者；
- ROS1阳性的局部晚期或转移性非小细胞肺癌（NSCLC）成人患者。

参照药品



参照药品建议

硫酸拉罗替尼胶囊



参照药建议理由

硫酸拉罗替尼胶囊是目前目录内唯一拥有12岁以下儿童（含新生儿）NTRK融合实体瘤适应症，且与本品剂型相同的药物

儿童肿瘤患者的用药选择有限，恩曲替尼可为NTRK基因融合阳性的儿童患者提供强效、经济和便利的治疗选择

NTRK儿童肿瘤的治疗亟需保障

1 儿童肿瘤危害程度高

- 恶性肿瘤严重威胁儿童生命健康，我国儿童的癌症负担居世界第二¹

2 儿童肿瘤用药少

- 许多儿科肿瘤无标准治疗方案，医保目录内儿童肿瘤用药有限
- 多达90%用于治疗儿科肿瘤的药物属于超适应症使用，可能引起远期毒性

3 NTRK靶点罕见

- 在儿童肿瘤患者中，NTRK基因融合发病率约为0.34%²
- 预估中国年新发NTRK融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者约为20-30人

相比于医保目录内TRK抑制剂的优势

有效性

- 治疗NTRK阳性儿童肿瘤患者颅内疗效确切且持久
- 目前唯一*披露NTRK融合阳性中国儿童的疗效数据，疗效和全球人群一致

经济性

- 治疗NTRK融合阳性儿童年治疗费用更低

创新性

- 透过血脑屏障能力强，提供强效治疗选择

便利性

- 每日一次服用，提高患儿依从性

NTRK：神经营养性酪氨酸激酶

*唯一截至2025年6月

1. Force, Lisa M. et al. The global burden of childhood and adolescent cancer in 2017: an analysis of the Global Burden of Disease Study 2017. The Lancet Oncology, Volume 20, Issue 9, 1211 – 1225

2. Ryosuke Okamura, et al. JCO Precision Oncology, 2018 by American Society of Clinical Oncology

作为突破性创新药物，恩曲替尼革新肿瘤治疗理念、颅内疗效确切

革新肿瘤治疗理念，覆盖1月龄以上儿童实体瘤患者



目前唯一*具有**中国儿童疗效确证**的跨瘤种NTRK靶向药



革新肿瘤治疗理念，精准治疗携带相同基因变异类型的罕见肿瘤，突破瘤种限制



丰富中国低龄儿童的NTRK融合靶向治疗选择，适用于**1月龄以上儿童患者**



具有颅内活性，治疗原发性中枢神经系统（CNS）儿童肿瘤患者疗效明确

- 恩曲替尼为**P-糖蛋白（P-gp）**的弱底物
- 相较拉罗替尼，恩曲替尼与P-gp的**亲和力更低、相互作用更弱**，不易被P-gp排出血脑屏障

- ☒ **有效透过血脑屏障并维持颅内药物浓度**、保持良好活性，**遏制脑部肿瘤生长**
- ☒ **生物利用度更高**，吸收迅速，分布广泛，每天**仅需口服一次**



化合物专利期至2028年，基于优异的疗效和迫切的临床需求，被授予多项荣誉



优先审评



优先审评

突破性疗法

孤儿药认定

恩曲替尼颅内疗效确切，尤其在中国患儿中应答显著

	临床响应良好	颅内疗效明确	中国儿童应答显著
患者人群	全球儿童人群 ¹	全球儿童人群 ¹	中国儿童人群 ^{2,*}
研究名称	STARTRK-2、STARTRK-NG和TAPISTRY	STARTRK-2、STARTRK-NG和TAPISTRY	STARTRK-NG
肿瘤类型	颅外 实体瘤 或原发性 中枢神经系统肿瘤	原发性 中枢神经系统肿瘤	颅外 实体瘤 或原发性 中枢神经系统肿瘤
经BICR确认的ORR(%)	72.7%	50.0%	87.5%
CR(%)	45.5%	25%	50%
mPFS(月)	NE (27.2-NE)	23.1 (13.0-NE)	NE (NE,NE)
mOS(月)	NE (35.7-NE)	57.7 (28.6-NE)	NE (NE,NE)
mDOR(月)	NE (25.4-NE)	25.4 (11.8-NE)	NE (NE,NE)

较目录内TRK抑制剂的
有效性优势

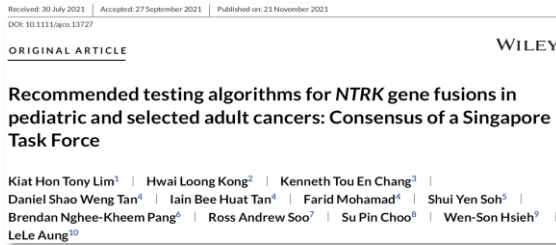
▶

针对NTRK融合的儿童患者
颅内疗效确切且持久

目前唯一[#]针对中国NTRK融合
儿童的疗效数据

BICR: 盲法独立中央审查; ORR: 客观缓解率; CR: 完全缓解; PFS: 无进展生存期; OS: 总生存期; DoR: 持续缓解时间; NE: 不可评估
*中国人群的中位生存随访时间为17.1个月 (范围: 13-23个月), 中位治疗时间为: 16.62个月 (范围: 3.2-22.8个月); [#]唯一截至到2025年6月
1. Ami V. Desai, et al. European Journal of Cancer 220 (2025) Article: 115308
2. 吴晔明, 恩曲替尼对患有 NTRK 融合的颅外实体或原发性中枢神经系统 (CNS) 肿瘤的中国儿童患者的疗效和安全性

恩曲替尼已被国内外权威指南/共识推荐



NCCN儿童中枢神经系统肿瘤指南（2025年V2版）¹

推荐**恩曲替尼**作为NTRK基因融合阳性的复发或进展性儿童弥漫性高级别胶质瘤的**优选治疗**方案（2A类推荐）

JSCO/JSMO/JSPHO关于TRK抑制剂在NTRK融合阳性晚期实体瘤成人和儿童患者中的诊断和使用的临床建议²

推荐**TRK抑制剂（如恩曲替尼）**用于具有NTRK融合基因不可切除/转移性/复发性实体瘤（**强烈建议**） [SR: 20, R: 0, ECO: 0, NR: 0]*

儿童和特定成人肿瘤中NTRK基因融合的检测路径推荐：新加坡工作组的共识³

在已知携带NTRK基因融合的特​​定儿童肿瘤中，如果无标准治疗可用，可考虑将**TRK抑制剂**作为**一线治疗**，或作为后续治疗

中国实体瘤NTRK基因融合临床诊疗专家共识⁴

对于NTRK基因融合阳性的实体瘤患者，推荐接受**TRK抑制剂（如恩曲替尼）**治疗，或参加TRK抑制剂相关临床试验（**强烈建议**）

*SR=强烈推荐，R=推荐，ECO=专家共识意见，NR=不推荐

1. Pediatric Central Nervous System Cancers Guidelines NCCN Guidelines Version 2.2025.

2. Japanese Society of Medical Oncology/Japan Society of Clinical Oncology/Japanese Society of Pediatric Hematology/Oncology-led clinical recommendations on the diagnosis and use of tropomyosin receptor kinase inhibitors in adult and pediatric patients with neurotrophic receptor tyrosine kinase fusion-positive advanced solid tumors. 2023.

3. Recommended testing algorithms for NTRK gene fusions in pediatric and selected adult cancers: Consensus of a Singapore Task Force. 2021.

4. Expert consensus on the diagnosis and treatment of NTRK gene fusion solid tumors in China. 2022.

恩曲替尼治疗NTRK融合儿童患者安全性良好，无黑框警告

说明书刊载的安全性信息¹



恩曲替尼**总体安全性良好**

最常见的不良反应（≥20%）为疲乏、便秘、腹泻、头晕、味觉倒错、水肿、体重增加等



报告的**多数不良反应（ADR）的严重程度为1级或2级**

儿童整体人群的总体安全性特征整体与成人用药的安全性特征相似



各年龄组（婴幼儿、儿童和青少年）的安全性特征与恩曲替尼在儿童患者中的**总体安全性特征相似**

国内外不良反应发生情况



恩曲替尼胶囊上市后总体安全性良好，各国家或地区药监部门5年内**未发布任何安全性警告、黑框警告、撤市信息**



参考2024年6月18日至2024年12月17日PBRER涵盖的报告期内获得的全部新获益和风险信息的评价，认为恩曲替尼的**累积获益-风险特征未发生变化**

恩曲替尼惠及中国1月龄以上至12岁以下的儿童罕见靶点肿瘤患者，是极具性价比的治疗选择

对公共健康影响显著

- 突破瘤种界限，长期生存助力罕见靶点肿瘤进入**慢病化管理时代**
- 为儿童肿瘤患者提供新的治疗选择，对推进我国儿童健康事业发展有重要意义
- **颅内疗效确切且持久**，有效弥补NTRK融合阳性的原发性中枢神经系统（CNS）儿童肿瘤患者的未满足需求

符合保基本原则

- 医保内儿童肿瘤药物有限，恩曲替尼**覆盖多个瘤种**，缓解**儿童肿瘤**治疗领域更为迫切的临床需求
- 新发儿童患者**人数有限**，节省医保基金支出，口服用药，节约住院费用，**基金影响有限**
- 相较于同类TRK抑制剂，恩曲替尼的**治疗费用更低、经济性更优**，有效减轻患者的用药负担

弥补目录短板

- 针对NTRK融合阳性原发性CNS儿童患者有明确的疗效证据支持
- 丰富1月龄以上至12岁以下NTRK融合阳性儿童实体瘤患者的用药选择

临床管理难度低

- 适应症明确，驱动基因靶向药物的使用均需通过基因检测，**精准治疗，无临床滥用风险**
- 用法用量明确，每天**仅需口服一次**，方便规范管理并改善患者治疗依从性